EMEA/H/C/004090

Kymriah (*tisagenlecleucel*)

En oversigt over Kymriah, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Kymriah, og hvad anvendes det til?

Kymriah er et lægemiddel til behandling af følgende typer blodkræft:

- Akut lymfoblastær B-celleleukæmi (ALL) hos børn og unge voksne op til 25 år, hos hvem kræftsygdommen ikke har uvist respons på tidligere behandling, er vendt tilbage to eller flere gange eller er vendt tilbage efter transplantation af stamceller
- Diffust storcellet B-celle lymfom (DLBCL) og follikulært lymfom (FL) hos voksne, når kræftsygdommen er vendt tilbage eller ikke har udvist respons på to eller flere tidligere behandlinger.

Kymriah er et lægemiddel til avanceret terapi, som kaldes et "genterapiprodukt". Denne type lægemiddel virker ved at tilføre gener til kroppen.

De blodkræfttyper, som Kymriah anvendes mod, er sjældne, og Kymriah blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" mod B-celle ALL den 29. april 2014, DLBCL den 14. oktober 2016 og FL den 19. juli 2021.

Kymriah indeholder det aktive stof tisagenlecleucel (der består af genmodificerede hvide blodlegemer).

Hvordan anvendes Kymriah?

Kymriah fremstilles ved hjælp af patientens egne hvide blodlegemer, der udvindes af blodet, og som derefter modificeres genetisk i et laboratorium.

Det gives som en enkelt infusion (drop) i en vene og må kun gives til den patient, hvis blodlegemer er anvendt til fremstillingen af det. Før behandling med Kymriah bør patienten behandles kortvarigt med kemoterapi for at få reduceret antallet af hvide blodlegemer. Umiddelbart før infusionen gives patienten paracetamol og et antihistaminlægemiddel for at minimere risikoen for reaktioner på infusionen.

Lægemidlet tocilizumab og nødudstyr skal være tilgængeligt i tilfælde af, at patienten får cytokinfrigivelsessyndrom, som er en potentielt alvorlig bivirkning. Cytokinfrigivelsessyndrom kan være

© European Medicines Agency, 2022. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

livstruende og forårsage feber, opkastning, åndenød, smerter og lavt blodtryk (se afsnittet om risici nedenfor).

Patienten bør overvåges nøje for bivirkninger i 10 dage efter behandlingen og rådes til at opholde sig i nærheden af et hospital med speciallæger i mindst 4 uger efter behandling.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Kymriah, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Kymriah?

Kymriah indeholder patientens egne T-celler (en type hvide blodlegemer), der er blevet genetisk modificeret i et laboratorium, så de fremstiller et protein, der hedder kimær antigenreceptor (CAR). CAR kan binde sig til et andet protein på overfladen af de kræftceller, der hedder CD19.

Når Kymriah gives til patienten, binder de modificerede T-celler sig til kræftcellerne og dræber dem, hvorved de hjælper med at fjerne kræften fra kroppen.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Kymriah?

B-celle ALL

Hovedstudiet af Kymriah hos patienter med B-celle ALL omfattede 92 børn og unge voksne (i alderen 3-25 år), hos hvem kræftsygdommen var vendt tilbage efter tidligere behandling eller ikke havde udvist respons på behandling. Ca. 66 % af patienterne havde udvist fuldstændig respons (dvs. de havde ingen tegn på kræft tilbage) 3 måneder efter behandlingen. Dette var bedre end de resultater, der sås med kræftlægemidlerne clofarabin, blinatumomab eller en kombination af clofarabin, cyclofosfamid og etoposid. Tolv måneder efter behandlingen var sandsynligheden for overlevelse 70 %.

DLBCL

Hovedstudiet af Kymriah hos patienter med DLBCL omfattede 165 patienter, som havde fået mindst 2 tidligere behandlinger, og som ikke kunne få foretaget en stamcelletransplantation. Ca. 24 % af patienterne havde udvist fuldstændig respons, og 34 % mindst partiel respons efter mindst 3 måneder. Disse resultater var sammenlignelige med dem fra studier af patienter, der fik standardbehandlinger for kræft. Tolv måneder efter behandlingen var sandsynligheden for overlevelse 40 %. Størstedelen af de patienter, der havde responderet på Kymriah, responderede fortsat efter 19 måneder.

FL

Hovedstudiet af Kymriah hos patienter med FL omfattede 98 patienter, hos hvem kræftsygdommen var vendt tilbage efter tidligere behandling eller ikke havde udvist respons på behandling. Patienterne havde fået mindst 2 tidligere behandlinger. Ca. 69 % af patienterne opnåede fuldstændig respons 3 måneder efter behandlingen.

Hvilke risici er der forbundet med Kymriah?

Alvorlige bivirkninger opstår hos de fleste patienter. De hyppigste alvorlige bivirkninger er cytokinfrigivelsessyndrom og fald i niveauet af blodplader (bestanddele, der hjælper blodet med at størkne), hæmoglobin (et protein i de røde blodlegemer, som transporterer ilt rundt i kroppen) eller de hvide blodlegemer, herunder neutrofiler og lymfocytter.

Desuden er alvorlige infektioner meget almindelige hos patienter, der behandles for DLBCL og FL.

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Kymriah fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor er Kymriah godkendt i EU?

Patienter med B-celle ALL har dårlige prognoser, og forbedringen ved behandling med Kymriah var større end med andre lægemidler mod denne sygdom. Hos patienter med DLBCL, der fik Kymriah, svarede resultaterne til andre behandlinger, men data fra igangværende studier indikerer, at virkningen varer længere. Kymriah blev desuden påvist at frembringe en sikker respons hos patienter med FL. De fleste patienter oplever alvorlige bivirkninger, som kan omfatte cytokinfrigivelsessyndrom. De er imidlertid håndterbare, hvis der tages passende forholdsregler (se nedenfor). Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Kymriah opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Kymriah?

Virksomheden, der markedsfører Kymriah, skal sikre, at de hospitaler, hvor Kymriah gives, har passende ekspertise, udstyr og oplæring på plads. Tocilizumab skal være tilgængeligt i tilfælde af cytokinfrigivelsessyndrom. Virksomheden skal udarbejde informationsmateriale til sundhedspersoner og patienter om bivirkningerne, især cytokinfrigivelsessyndrom.

Virksomheden skal gennemføre adskillige studier for at opnå mere information om Kymriah, herunder om sikkerheden og virkningen på lang sigt og hos patienter under 3 år med B-celle ALL.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Kymriah.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Kymriah løbende overvåget. De indberettede bivirkninger ved Kymriah vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Kymriah

Kymriah fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 23. august 2018.

Yderligere information vedrørende Kymriah findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports.

Denne oversigt blev sidst opdateret i april 2022.